

独立行政法人医薬品医療機器総合機構 第5期中期目標（案）の概要

令和6年1月22日
厚生労働省 医薬局 総務課

医薬品医療機器総合機構の使命等と目標との関係

(使命)

国民保健の向上に資することを目的として、医薬品・医療機器等行政にかかる施策を実現するために非常に重要となる、医薬品等の健康被害救済、承認審査及び安全対策における、最新の科学的知見に基づく根拠を提供する。

(現状・課題)

◆強み

- ・ セイフティ・トライアングルにより、医薬品等のライフサイクル全般を通して、国民の健康・安全の向上に貢献。
- ・ 多岐にわたる専門人材により、医薬品等の品質、有効性及び安全性について、最新の科学に基づき多角的に評価。

◆課題

- ・ 科学力向上や国際化に向けた対応及び業務の質の向上を図るため、組織体制の充実や人材育成等が必要。
- ・ デジタル技術を活用した業務効率化及び組織規模に応じた適切なガバナンス確保のため、管理部門の強化が必要。

(環境変化)

- 海外で承認されているにもかかわらず、日本では承認されていない国内未承認薬が、日本で薬剤の開発に着手すらされないという「ドラッグロス」の問題などが生じており、新たな医薬品等アクセスの課題。
- 新型コロナウイルス感染症に対するmRNAワクチンや、ソフトウェア機能が搭載された記録媒体であるプログラム医療機器 (SaMD) をはじめとする、これまで前例の無かった革新的な医薬品・医療機器等が申請・承認されており、テクノロジーの発展が加速。

(中期目標)

- 医薬品副作用被害救済制度等に関する広報等の拡充及び救済給付の請求事案の迅速な事務処理の実施。
- イノベーションに的確に対応した医薬品等の相談及び審査の実施。
- 海外開発先行の医薬品等の国内開発・導入のための環境整備及び情報発信の強化。
- 副作用・不具合情報の適切な収集・整理・評価、医療関係者及び患者・一般消費者への安全性情報の提供並びに講じた安全対策措置のフォローアップ。
- 人材力の強化及び管理部門の強化。

健康被害救済給付業務

事業実施の考え方

救済制度をより多くの方々に周知し、医薬品等の副作用又は感染等による健康被害を受けられた方々に対し、適正かつ迅速な救済を行うことが重要。

具体的事項

1) 救済制度に関する広報及び情報提供の拡充

医薬品等の副作用等により健康被害に遭われた方が、救済の必要な時に確実に救済制度を利用することができるようにするための広報を積極的に行うこと。

2) 迅速な事務処理の実施

- ① 救済給付の請求事案について、正確かつ迅速な事務処理を図ること。
- ② 請求書類の不備等により処理に時間を要する事案を減らし、業務の効率化を図ること。

3) 請求者及び受給者の負担軽減策の実施

4) 救済給付業務の効率化等の推進

5) 審査部門及び安全対策部門との積極的な連携

救済部門は救済業務における請求事例について、個人情報に配慮しつつ、医学的観点及び薬学的観点から適切な評価を行い、得られた情報を審査部門や安全対策部門と適切に共有すること。

6) 保健福祉事業の着実な実施

健康被害救済給付業務 / スモン患者等に対する給付業務

評価指標

救済給付事務について、中期目標期間の各年度において、全請求件数の65%以上を6月以内に処理する。

重要度：高

医薬品等の副作用等により健康被害に遭われた方の救済を正確かつ迅速に行う必要がある。

困難度：高

医学・薬学的判断のための調査業務が高度化、複雑化し、事務処理期間を要する難解な救済事案が増加することが予測され、救済給付事務について目標事務処理期間に処理し続けることは、極めて難易度が高い。

スモン患者等に対する給付業務

スモン患者及び血液製剤によるH I V感染者等に対する受託支払業務並びに特定フィブリノゲン製剤及び特定血液凝固第IX因子製剤によるC型肝炎感染被害者に対する給付業務等を適切に実施すること。

審査等業務

事業実施の考え方

国民が国際的水準にある医薬品・医療機器等を安心して用いることができるよう、世界最速レベルの審査期間を堅持するとともに、審査の質の向上等を図る。また、引き続き厚生労働省と緊密な連携を取りつつ、各種施策を進めることが重要。

具体的事項

1) 医薬品審査業務の迅速かつ適切な実施

- ① 世界最速レベルの審査期間の堅持と、イノベーションに的確に対応した相談及び審査を実施すること。また、患者ニーズの高い医薬品や海外開発先行の革新的医薬品について、実用化支援や情報発信の強化を図ること。
- ② ジェネリック医薬品の安定供給確保へ貢献するための迅速な審査の実施と一層の質の向上を図ること。
- ③ ニーズに適合した一般用医薬品等の開発への貢献のための申請区分の考え方の明確化と新たな相談区分の設定及び既存相談の充実を図ること。
- ④ 適合性調査の効率化と国内治験の支援及びリアルワールドデータ等への適切な対応を図ること。
- ⑤ 新しい製造技術に的確に対応し、GMP実地調査の充実及び無通告査察の着実な実施を図ること。また、都道府県等の職員への教育支援の充実及び医薬品品質に係るリスクコミュニケーションの促進を図ること。

2) 医療機器、再生医療等製品等の審査業務の迅速かつ適切な実施

- ① 世界最速レベルの審査期間の堅持、承認までの更なる予見性確保及び情報発信の強化を図ること。また、イノベーションの早期実用化支援の強化及びプログラム医療機器の相談・審査体制の強化を図ること。
- ② 再生医療等製品について、革新的技術を利用した開発品目に対応できる人材の育成及び実用化支援や情報発信の強化を図ること。
- ③ 適合性調査の効率化と国内治験の支援及びリアルワールドデータ等への適切な対応を図ること。
- ④ QMS・GCTP実地調査の充実及び細胞培養加工施設に対する調査を実施すること。また、登録認証機関における認証業務の質の向上を図ること。

審査等業務

具体的事項

3) レギュラトリーサイエンスの推進による業務の質の向上

- ① 包括的連携協定締結機関などの外部機関との人事交流やレギュラトリーサイエンス業務への関与などを通じ、人材の育成を図ること。
- ② 組織としての研究遂行能力の強化及び審査・相談上の課題を組織横断的に検討できる体制の確立を図ること。
- ③ レギュラトリーサイエンス研究の成果を英語論文、報告書等として発信すること。

4) 国際化の推進

- ① 国際的なリーダーシップを獲得し、国際的な規格基準の作成及び規制調和の推進を図ること。
- ② 欧米及びアジア諸国等との連携強化及びアジア医薬品・医療機器トレーニングセンターを通じた日本の薬事規制の知識・経験の提供活動の強化を図ること。
- ③ 日本の薬事制度及び相談制度等の機構の業務内容・実績に関する世界への情報発信を強化すること。

評価指標

1. 分野ごとに申請から承認までの審査期間の目標値を別紙のとおり設定する。
2. 先駆的医薬品指定品目に関する相談及びRS戦略相談等の申込みに対して、全件相談に対応し、治験相談及びRS戦略相談の申込みのうち80%について、対面助言終了後から30勤務日以内に記録の確定を行う。
3. 外部との意見交換や研修等の人材力の強化に資する機会の充実を図り、レギュラトリーサイエンスの推進に向けた環境整備及び体制の確立を行う。
4. アジア諸国等複数国向けに年5回以上のトレーニングセミナーを開催、かつセミナー受講後のアンケートにおける受講者の満足度が5段階評価で3（Good）以上の割合が延べ75%以上を達成。

審査等業務

重要度：高

- 「経済財政運営と改革の基本方針2023」（令和5年6月16日閣議決定）において、「小児用・希少疾病用等の未承認薬の解消に向けた薬事上の措置と承認審査体制の強化等を推進する」及び「プログラム医療機器の実用化促進に向けた承認審査体制の強化を図る」と盛り込まれたところであり、医薬品、医療機器及び再生医療等製品等の早期承認に向けた支援等が必要。
- これまで前例の無い革新的な医薬品、医療機器及び再生医療等製品等について、最新の科学的知見を踏まえつつ、個々の製品の特性に応じた品質、有効性及び安全性を評価し適正な規制を行うため、レギュラトリーサイエンスの推進が重要。
- 「経済財政運営と改革の基本方針2023」において、「臨床開発・薬事規制調和に向けたアジア拠点の強化」が盛り込まれたところであり、アジア地域をはじめとする諸外国の規制当局と信頼関係を構築するとともに、積極的な国際貢献を行う必要がある。

困難度：高

- 速やかな審査及び業務の質の向上を両立させるためには、審査を効率的に行うのみならず、開発段階から治験相談等を実施し、申請品目の理解や問題点の把握に努めることや、審査部門の多面的な活動によるレギュラトリーサイエンスの推進が必要であり、難易度が高い。
- 特に、プログラム医療機器については、これまでの医療機器開発企業と異なる他業種による開発が主流となっているため、その特殊性に応じた相談・審査体制を別途構築し、開発から薬事申請へのきめ細かなガイドやサポート等を行うことが必要であり、難易度が高い。
- 諸外国と信頼関係を構築するためには、個々に要望や状況が異なる相手に配慮しつつ、国及び機構としてのベネフィットと同時に、相手のベネフィットも確保する「Win-Win」の関係を構築する必要がある。さらに、今後は各国の規制当局との関係強化だけでなく、海外のベンチャー企業等に対する「ドラッグロス」解消などに向けた取組が求められ、難易度が高い。

安全対策業務

事業実施の考え方

- 医薬品・医療機器等をより早く安全に医療現場に届けるとともに、医薬品・医療機器等が適正に使用されることを確保し、保健衛生上の危害発生の防止及び発生時の的確・迅速な対応を行うことが重要である。
- 緊急承認・特例承認等の医薬品等の早期承認を進める制度が整備される中、国民が安心して世界最先端の医薬品等の恩恵を受けられるように、安全対策業務の一層の質の向上と高度化を推進する必要がある。

具体的事項

1) 副作用・不具合情報の適切な収集・整理・評価の実施

- ① MID-NET等の医療情報データベースを活用した薬剤疫学調査に基づく安全性評価の推進を図ること。
- ② 増大する副作用・不具合報告について迅速な整理・評価を実施すること。
- ③ 医療機関報告の充実のための普及啓発活動の推進を図ること。
- ④ 患者からの副作用情報の安全対策への活用を図ること。

2) 医療関係者並びに患者及び一般消費者への安全性情報の提供と講じた安全対策措置のフォローアップ

- ① 最新の電子化された添付文書の確実な提供を図ること。
- ② 一般消費者や患者に必要な情報を分かりやすい形で発信するなど、リスクコミュニケーションの強化を図ること。
- ③ RMPを含む安全性情報の医療現場における更なる活用推進を図ること。

3) 審査部門及び救済部門との連携

- ① 審査段階から製造販売後までの一貫した安全対策につながるよう、審査部門との連携を図ること。
- ② 救済業務における請求事例について、個人情報に十分配慮しつつ、安全対策に活用できるよう、救済部門との連携を図ること。

安全対策業務

具体的事項

4) レギュラトリーサイエンスの推進による業務の質の向上

- ① 包括的連携協定締結機関などの外部機関との人事交流やレギュラトリーサイエンス業務への関与などを通じ、人材の育成を図ること。
- ② 組織としての研究遂行能力の強化及び審査・相談上の課題を組織横断的に検討できる体制の確立を図ること。
- ③ レギュラトリーサイエンス研究の成果を英語論文、報告書等として発信すること。
- ④ MID-NETのデータ規模の拡充及び利便性の更なる向上並びに医療情報の標準化・品質管理等に関する情報発信を図ること。

5) 国際化の推進

- ① 国際的なリーダーシップを獲得し、国際的な規格基準の作成及び規制調和の推進を図ること。
- ② 欧米及びアジア諸国等との連携強化及びアジア医薬品・医療機器トレーニングセンターを通じた日本の薬事規制の知識・経験の提供活動の強化を図ること。
- ③ 日本の薬事制度及び相談制度等の機構の業務内容・実績に関する世界への情報発信を強化すること。

評価指標

1. 医療機関からの医薬品・医療機器等の副作用・不具合報告に係るフォローアップ調査を、調査が必要と判断される全ての報告について実施。
2. 医薬品・医療機器の副作用・不具合情報等について、報告から4ヶ月以内にラインリストとして公表。
3. 国が発出した医薬品等の添付文書改訂の指示について、指示書の発出から2日以内にホームページに掲載。
4. レギュラトリーサイエンスの推進に向けた環境整備及び体制の確立、MID-NETの利活用者の利便性向上及び安定運営に向けた検討・見直しを行う。
5. アジア諸国等複数国向けに年5回以上のトレーニングセミナーを開催、かつセミナー受講後のアンケートにおける受講者の満足度が5段階評価で3（Good）以上の割合が延べ75%以上を達成。

安全対策業務

重要度：高

- 副作用・不具合の情報収集、評価及び安全情報の医療現場等への迅速かつ正確な提供は市販後安全対策の骨格である。また、先駆的医薬品等指定制度や条件付き早期承認制度の下、新医薬品や新医療機器等の迅速な承認が進められた結果、我が国が他国に先駆けて画期的な製品を承認するケースも見受けられるところであり、市販後の安全対策が重要となっている。
- これまで前例の無い革新的な医薬品、医療機器及び再生医療等製品等について、最新の科学的知見を踏まえつつ、個々の製品の特性に応じた品質、有効性及び安全性を評価し適正な規制を行うため、レギュラトリーサイエンスの推進が重要である。
- 「経済財政運営と改革の基本方針2023」において、「臨床開発・薬事規制調和に向けたアジア拠点の強化」が盛り込まれたところであり、アジア地域をはじめとする諸外国の規制当局と信頼関係を構築するとともに、積極的な国際貢献を行う必要がある。

困難度：高

- 画期的な効果を有し、重篤な疾患、高度な手技に使用される新医薬品や新医療機器等が増加しており、かつ我が国が他国に先駆けて承認するものもある。一方で、そうした新医薬品や新医療機器等による従来知見で想定されない副作用・不具合に対処していくためには、国内外の情報の収集等に基づき、緻密で高度な専門性を要する分析が求められ、難易度が高い。
- 副作用等情報をより効率的かつ着実に分析するため、今後はMID-NET等のリアルワールドデータを活用した薬剤疫学的評価をより一層積極的に活用していく必要がある。リアルワールドデータを活用した薬剤疫学的評価を活用するためには、リアルワールドデータに基づく課題設定・課題解決を適切な手法で検証する必要があり、専門性が求められ、難易度が高い。
- 諸外国と信頼関係を構築するためには、個々に要望や状況が異なる相手に配慮しつつ、国及び機構としてのベネフィットと同時に、相手のベネフィットも確保する「Win-Win」の関係を構築する必要がある。さらに、今後は各国の規制当局との関係強化だけでなく、海外のベンチャー企業等に対する「ドラッグロス」解消などに向けた取組が求められ、難易度が高い。

業務運営の効率化／財務内容の改善に関する事項等

業務運営の効率化に関する事項

- 機構の役割及び社会的立場を踏まえたガバナンス体制の構築
 - 意思決定体制及び業務執行体制の進化
 - 規律ある職場の実現
 - リスクマネジメントの強化
- 優秀な人材の確保・育成の推進
 - 職員の成長と組織のパフォーマンスの向上
 - 職場におけるダイバーシティの推進
- 業務実績の定期的な開示と戦略的な広報活動
 - 業務実績の定期的な開示
 - 戦略的な広報活動
 - 機構の業務実績の世界への発信
- 薬害の歴史展示コーナーの運営
- 財務ガバナンスの強化
 - 手数料・拠出金を主要な財源として運営する組織に相応しい財務ガバナンスの確立 等
- 情報システムの整備及び管理
 - 情報システムの適切な整備及び管理、PMOによる各業務システムのプロジェクトに対するサポート 等

財務内容の改善に関する事項

- 経費の節減を見込んだ中期計画の予算を作成し、当該予算による運営を行うこと。

その他業務運営に関する重要事項

- セキュリティの確保
 - 事務室等のセキュリティを確保するとともに情報管理に万全を期す。
 - 情報システムに係るセキュリティの確保。
 - 保有文書の特性を踏まえた文書管理体制を確保。
- 人事に関する事項
 - 中立性等に十分配慮した上で、役職員の採用等に関し適切な措置を講ずる。
 - 適切な能力開発・計画的な育成を実施。
 - 職員の給与水準について、適正かつ効率的な支給水準となるよう努める。
- 積立金の処分に関する事項
 - 前中期目標の期間の最後の事業年度において、積立金がある場合は適切に処理。

(別紙) 審査期間の目標値

項目	指標 (審査期間(注1))	目標の設定及び水準の考え方	令和4年度実績
新医薬品			
優先品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で9月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で9月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、80%マイル値8.9月を達成
通常品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で12月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で12月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、80%マイル値11.7月を達成
先駆的医薬品指定品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成すること。	(承認品目なし)
ジェネリック医薬品等			
新規申請	当該年度に承認された品目の行政側期間(注2)について、70%マイル値で10月を達成	当該年度に承認された品目の行政側期間について、70%マイル値で10月を達成すること。	承認された品目の行政側期間について、70%マイル値8.5月を達成
一部変更申請 (通常品目)	当該年度に承認された品目の総審査期間について、55%マイル値で10月を達成	当該年度に承認された品目の総審査期間について、55%マイル値で10月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、55%マイル値8.0月を達成
一部変更申請 (通常以外)	当該年度に承認された品目の総審査期間について、55%マイル値で6月を達成	当該年度に承認された品目の総審査期間について、55%マイル値で6月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、55%マイル値4.8月を達成
一部変更申請 (迅速審査)	当該年度に承認された品目の総審査期間について、53%マイル値で3月を達成	当該年度に承認された品目の総審査期間について、53%マイル値で3月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、53%マイル値3.0月を達成
一般薬、医薬部外品			
要指導・一般区分7、8及び殺虫剤等区分3	当該年度に承認された品目の総審査期間について、70%マイル値で7月を達成	申請者ニーズを踏まえ、当該年度に承認された品目の総審査期間について、70%マイル値で7月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、70%マイル値5.8月を達成
医薬部外品	当該年度に承認された品目の行政側期間について、70%マイル値で4.5月を達成	申請者ニーズを踏まえ、当該年度に承認された品目の行政側期間について、70%マイル値で4.5月を達成すること。	承認された品目の行政側期間について、70%マイル値3.7月を達成

項目	指標 (審査期間(注1))	目標の設定及び水準の考え方	令和4年度実績
医療機器			
プログラム医療機器優先審査指定品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成	プログラム医療機器の実用化促進に向けて、現行の医療機器の総審査期間より更なる短縮を図るため、当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成すること。	(新規に設けた区分のため実績なし)
プログラム医療機器における変更計画確認手続制度(注3)	当該年度に確認する全品目を5.5月以内に処理	プログラム医療機器について、早期実用化に向けた審査をより迅速に実施するため、各年度において、当該年度に確認する改良医療機器(臨床なし)を5.5月以内に処理すること。	(新規に設けた区分のため実績なし)
プログラム医療機器における変更計画確認手続制度(後発医療機器)	当該年度に確認する全品目を3.5月以内に処理	プログラム医療機器について、早期実用化に向けた審査をより迅速に実施するため、各年度において、当該年度に確認する改後発医療機器を3.5月以内に処理すること。	(新規に設けた区分のため実績なし)
新医療機器(優先品目)	当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で10月を達成	当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で10月を達成すること。	平均8.8月を達成
体外診断用医薬品			
専門協議品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で12月を達成	申請者ニーズを踏まえ、当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で12月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、80%マイル値11.7月を達成
通常品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で7月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、80%マイル値で7月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、80%マイル値6.6月を達成
先駆的体外診断用医薬品指定品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、全件で6月を達成すること。	(承認品目なし)
再生医療等製品			
優先品目	当該年度に承認された品目の総審査期間について、50%マイル値で9月を達成	前中期目標期間に掲げられた目標値と同様、当該年度に承認された品目の総審査期間について、50%マイル値で9月を達成すること。	承認された品目の総審査期間について、50%マイル値9.0月を達成

(注1) 承認した品目の申請から承認までの期間。

(注2) 審査期間から申請企業等が資料作成等を行っている時間を除いた期間のこと。項目の性質上、個別の品目により当該時間が著しく長くなる項目については、審査期間による指標を設定することが妥当ではないため、当該期間による指標を設定している。

(注3) 将来改良が見込まれている医療機器について、審査の過程で変更計画を確認し、計画の範囲内で迅速な承認事項の一部変更を認めることで、継続した改良を可能とする承認審査制度。